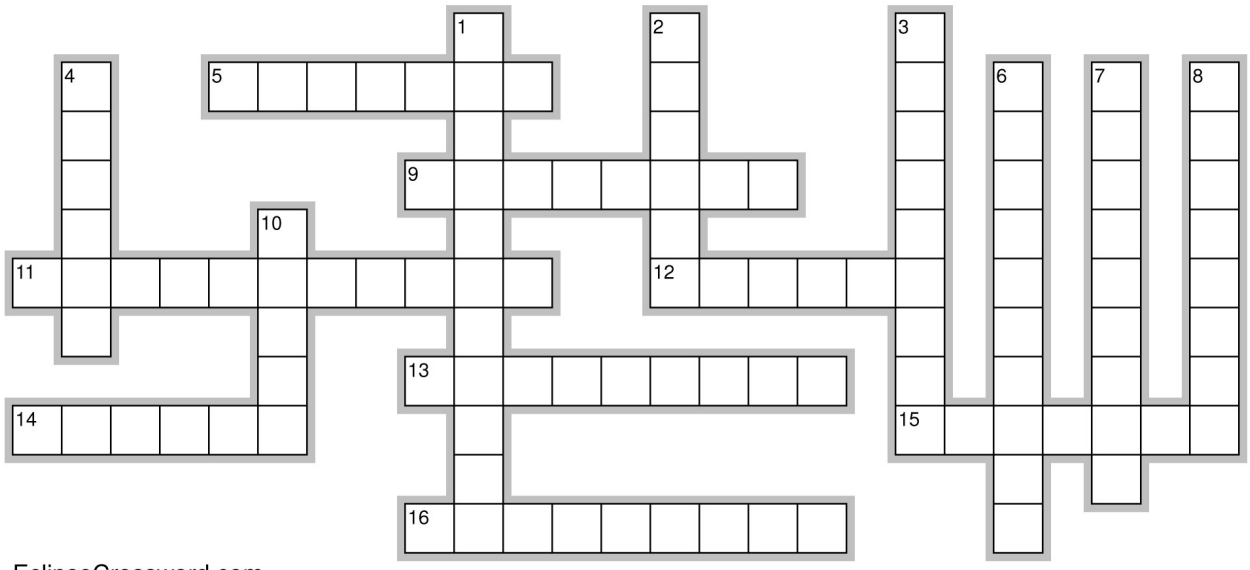
Se oye la sordera

02/05/2026

SE OYE LA SORDERA

A. REQUENA & VALLE DE ELDA, © 2026



EclipseCrossword.com

HORIZONTALES

5. El caso de Otarmeni representa uno de los más llamativos en la transición de la genética experimental a la medicina clínica aplicada.
9. Esta disciplina deja de tratar solo síntomas y empieza a corregir, reemplazar o modular instrucciones genéticas.
11. La novedad no es solo científica, sino de este tipo.
12. En la falciforme, se modifican células madre sanguíneas del propio paciente.
13. Muchas de estas terapias se aprueban para enfermedades graves, raras y sin alternativas; por eso los ensayos suelen tener pocos de éstos.
14. Son terapias potencialmente así, no tratamientos crónicos tradicionales.
15. Otarmeni está diseñado para pacientes con ésta congénita causada por mutaciones bialélicas en el gen OTOF.
16. La iniciativa de Estados Unidos in¡mplica que lo más relevante es el cambio de éste.

VERTICALES

1. Otarmeni, aprobado por la FDA el 23 de abril de 2026, es la primera terapia génica para una forma de este tipo de sordera causada por mutaciones bialélicas del gen OTOF.
2. La genética de este tipo, avanza hacia una medicina más precisa, casi artesanal, pero necesita vigilancia pública, transparencia y criterios estrictos para que la urgencia no sustituya a la evidencia.
3. Cuando ambas copias del gen lo están, el oído puede detectar el sonido, pero no puede transmitir la señal correctamente al cerebro, produciendo una sordera profunda desde el nacimiento o la primera infancia.
4. En la sordera por OTOF, se introduce una copia funcional del gen en lésta.
6. Casgevy, aprobado el 8 de diciembre de 2023 para este tipo de anemia, que fue la primera terapia aprobada en EE. UU. que utiliza edición genética CRISPR/Cas9.
7. Casgevy abrió la puerta de CRISPR; Otarmeni acaba de mostrar que la terapia génica puede incluso restaurar éstas, sensoriales perdidas.
8. La gran cuestión ya no es si ésta será parte central de la medicina futura, sino cómo garantizar que ese futuro sea seguro, justo y científicamente sólido.
10. En los últimos meses, Estados Unidos ha acelerado de forma muy visible la aprobación y regulación de terapias genéticas, sobre todo en enfermedades de este tipo.

En los últimos meses, Estados Unidos ha acelerado de forma muy visible la aprobación y regulación de terapias genéticas, sobre todo en enfermedades raras. El caso más reciente es Otarmeni, aprobado por la FDA el 23 de abril de 2026, primera terapia génica para una forma hereditaria de sordera causada por mutaciones bialélicas del gen OTOF. La FDA la describe como la primera terapia génica basada en doble vector AAV para esta indicación.

Este avance se suma al hito de Casgevy, aprobado el 8 de diciembre de 2023 para anemia falciforme, que fue la primera terapia aprobada en EE. UU. que utiliza edición genética CRISPR/Cas9. Desde entonces, la FDA ha mantenido una línea de expansión rápida, pues en 2024 se aprobaron varios productos celulares y génicos, y la propia agencia mantiene una lista actualizada de terapias celulares y génicas autorizadas.

La novedad no es solo científica, sino regulatoria. En abril de 2026, la FDA publicó nuevas orientaciones sobre seguridad en edición genómica, centradas en el uso de secuenciación de nueva generación para detectar efectos no deseados, como ediciones fuera de objetivo o pérdida de integridad genómica. Esto indica que Estados Unidos quiere acelerar, sí, pero también ordenar el terreno, ya que no basta con que una terapia sea prometedora; debe demostrar control técnico, seguridad molecular y beneficio clínico.

Lo más relevante es el cambio de paradigma. La medicina deja de tratar solo síntomas y empieza a corregir, reemplazar o modular instrucciones genéticas. En la anemia falciforme, se modifican células madre sanguíneas del propio paciente. En la sordera por OTOF, se introduce una copia funcional del gen en la cóclea. Son terapias potencialmente únicas, no tratamientos crónicos tradicionales.

Ahora bien, la rapidez plantea preguntas delicadas, como precio, acceso, seguimiento a largo plazo, equidad y efectos tardíos. Muchas de estas terapias se aprueban para enfermedades graves, raras y sin alternativas; por eso los ensayos suelen tener pocos pacientes. La esperanza es enorme, pero también lo es la responsabilidad. La genética médica avanza hacia una medicina más precisa, casi artesanal, pero necesita vigilancia pública, transparencia y criterios estrictos para que la urgencia no sustituya a la evidencia.

En suma, Estados Unidos está entrando en una etapa de aprobaciones genéticas aceleradas, especialmente en enfermedades raras. Casgevy abrió la puerta de CRISPR; Otarmeni acaba de mostrar que la terapia génica puede incluso restaurar funciones sensoriales perdidas. La gran cuestión ya no es si la genética será parte central de la medicina futura, sino cómo garantizar que ese futuro sea seguro, justo y científicamente sólido.

El caso de Otarmeni representa uno de los avances más llamativos en la transición de la genética experimental a la medicina clínica aplicada. Su aprobación por la Food and Drug Administration el 23 de abril de 2026 no solo responde a una innovación tecnológica, sino a un cambio profundo en la forma de abordar enfermedades sensoriales hasta ahora consideradas irreversibles.

¿Qué enfermedad trata exactamente? Otarmeni está diseñado para pacientes con sordera congénita causada por mutaciones bialélicas en el gen OTOF. Este gen codifica la proteína otoferlina, esencial para la transmisión de señales sonoras desde las células ciliadas internas del oído hacia el nervio auditivo. Cuando ambas copias del gen están alteradas, el oído puede detectar el sonido, pero no puede transmitir la señal correctamente al cerebro, produciendo una sordera profunda desde el nacimiento o la primera infancia.



¿Cómo funciona la terapia? El principal desafío técnico radica en que el gen OTOF es demasiado grande para ser transportado en un único vector viral convencional. Por ello, Otarmeni utiliza una estrategia avanzada, consistente en el empleo de doble vector viral tipo AAV (virus adenoasociado), en que cada vector transporta una parte del gen y dentro de las células del oído interno, ambas partes se recombinan para reconstruir el gen funcional. Este enfoque permite que las células ciliadas produzcan nuevamente otoferlina, restaurando la capacidad de transmisión sináptica del sonido.

¿Cómo se administra? La terapia se aplica mediante una intervención altamente especializada, consistente en una inyección directa en la cóclea (oído interno), mediante un procedimiento quirúrgico de precisión y generalmente en

un solo oído (al menos en fases iniciales). Se trata de una terapia única, no de un tratamiento crónico.

¿Cuál es la evidencia clínica? Los ensayos clínicos iniciales, aunque con muestras reducidas (como es habitual en enfermedades raras), han mostrado resultados muy prometedores con un mejora significativa en la detección de sonidos, la aparición progresiva de respuestas auditivas funcionales y, en algunos casos pediátricos, desarrollo de habilidades de percepción del habla
Especialmente relevante es que los mejores resultados se observan en niños tratados tempranamente, lo que refuerza la importancia del diagnóstico genético precoz.

¿Qué riesgos y limitaciones hay? A pesar del entusiasmo, hay aspectos que requieren cautela, como las posibles reacciones inmunológicas al vector viral, la incertidumbre sobre la duración del efecto a largo plazo, la necesidad de seguimiento clínico durante años y el coste potencialmente muy elevado. Además, no todos los tipos de sordera genética son tratables con este enfoque porque está limitado a mutaciones específicas del gen OTOF.

¿Cuál es la importancia científica? Otarmeni marca varios hitos simultáneos, como una primera terapia génica aprobada para sordera genética, una validación clínica del uso de vectores duales, la expansión de la terapia génica a órganos sensoriales complejos y la confirmación de que funciones neuronales pueden restaurarse parcialmente

¿Cuáles son las implicaciones futuras? Este avance abre una vía completamente nueva para tratamientos para otras formas de sordera genética, para terapias dirigidas a retina (visión), sistema nervioso o equilibrio y el desarrollo de medicina personalizada basada en diagnóstico molecular. También plantea cuestiones regulatorias y éticas: coste, acceso, equidad y priorización en sistemas sanitarios.

En suma, Otarmeni no es solo un medicamento, sino una prueba de concepto, que demuestra que una alteración genética concreta puede corregirse directamente en el órgano afectado con efectos funcionales reales. La medicina entra aquí en una fase donde ya no se limita a compensar déficits (como los implantes cocleares), sino que intenta restaurar la función biológica original. Y aunque aún es pronto para hablar de una solución general a la sordera, el paso dado es claro: por primera vez, el silencio hereditario empieza a ser reversible en algunos casos.

SE OYE LA SORDERA

A. REQUENA & VALLE DE ELDA, © 2026

